



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

23 SEPTEMBRE 2020

tafamidis
VYNDAQEL 61 mg, capsule molle

Inscription

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans l'amylose à transthyrétine de type sauvage ou héréditaire chez les patients adultes avec une cardiomyopathie (ATTR-CM).

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge de l'amylose à transthyrétine de type sauvage ou héréditaire avec cardiomyopathie.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La stratégie thérapeutique de l'amylose cardiaque à transthyrétine repose actuellement sur des traitements symptomatiques conventionnels de l'insuffisance cardiaque.

Dans le traitement de l'amylose cardiaque, trois mécanismes d'action sont ciblés :

- la suppression de la transthyrétine anormale et/ou de sa source principale de synthèse : une transplantation cœur et/ou foie peut être envisagée.
- la stabilisation de la transthyrétine : le tafamidis sous la forme VYNDAQEL, 20 mg, dispose d'une RTU dans l'amylose cardiaque à transthyrétine de forme héréditaire ou sénile et désormais sous forme de VYNDAQEL, 61 mg dispose d'une AMM dans cette indication en France.
- la résorption des fibrilles amyloïdes toxiques de la transthyrétine

Par ailleurs, 2 autres médicaments disposent d'une AMM dans l'ATTR, mais uniquement dans la forme neurologique : ONPATTRO (patisiran) et TEGSEDI (inotersen).

Place de VYNDALIQEL dans la stratégie thérapeutique :

VYNDALIQEL (tafamidis) est un traitement de 1^{ère} intention de l'amylose à transthyrétine avec cardiomyopathie. Il s'agit du seul médicament disposant d'une AMM dans cette indication. La Commission souligne :

- que les patients de classe NYHA IV étaient exclus de l'étude et très peu de patients de classe NYHA I (8,4 %) ont été inclus dans l'étude,
- qu'elle s'interroge sur la dose retenue par l'AMM à 80 mg et non 20 mg en l'absence de données robustes portées à la connaissance de la CT permettant de discriminer les 2 dosages en termes d'efficacité et de tolérance.

Pour les patients ayant une ATTR avec à la fois une atteinte cardiaque et une atteinte neurologique, la Commission ne peut- à ce jour se prononcer sur la stratégie d'utilisation conjointe ou séquentielle des différents traitements existants, ONPATTRO (patisiran), TEGSEDI (inotersen) et VYNDALIQEL 20 mg ou désormais VYNDALIQEL 61 mg (tafamidis), dans la stratégie thérapeutique de l'amylose à transthyrétine avec cardiomyopathie associée, faute de données.

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur www.has-sante.fr